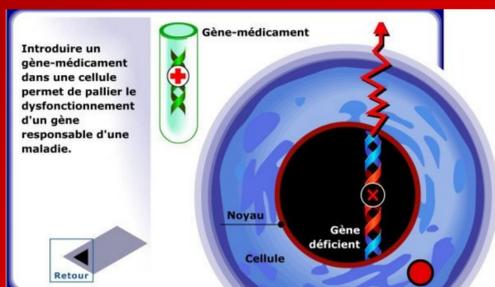


LA THERAPIE GENIQUE

Certaines maladies sont génétiques, c'est-à-dire développées car les individus malades portent un ou des allèles d'un gène qui entraîne la production de protéines peu ou pas fonctionnelles. La thérapie génique est une technique très prometteuse pour soigner les malades. **Comment fonctionne cette technique?**

La thérapie génique aussi appelée gènothérapie est une pratique thérapeutique qui consiste à remplacer un allèle mutant d'une cellule ou d'un tissu par un nouvel allèle qui est fonctionnel ou à surexprimer une protéine dont l'activité aurait un impact bénéfique sur l'organisme.



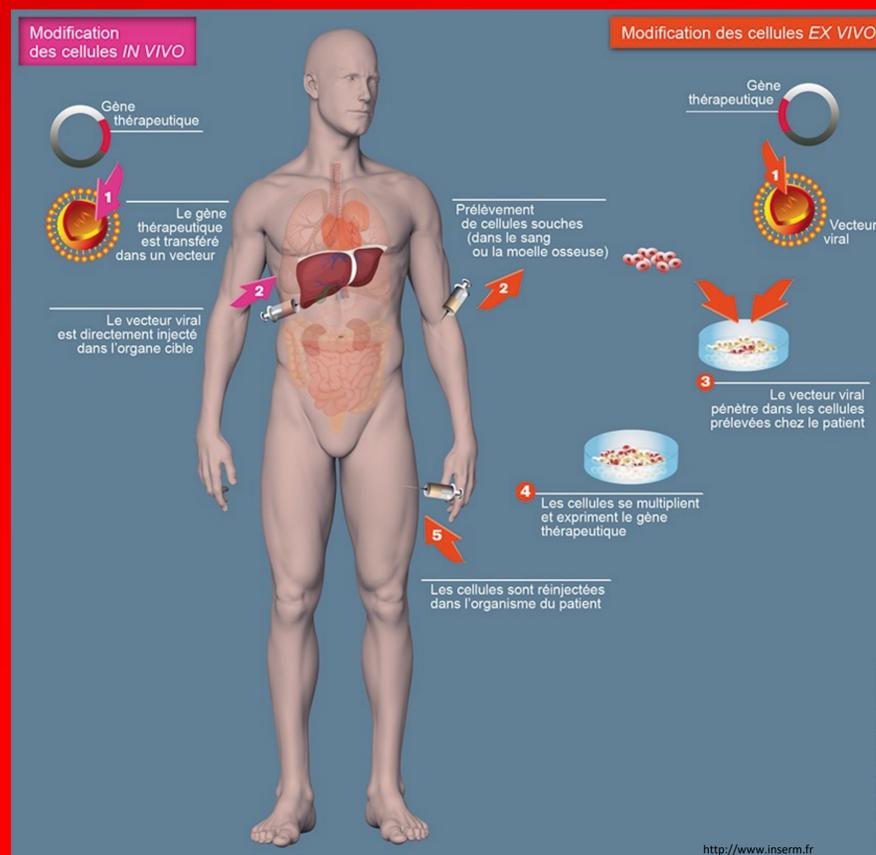
<http://tpe1stdvbce.e-monsite.com>

COMMENT LES GÈNES ATTEignent-ILS LES CELLULES CIBLES?

Imaginons qu'un patient est atteint d'un trouble génétique qui ne touche que certaines cellules de son cerveau. Comment faire en sorte que le gène thérapeutique atteigne les cellules affectées?

On a recours à un vecteur. Un vecteur est un « transporteur » du matériel génétique qui lui permet d'atteindre et de pénétrer dans la cellule cible et, selon le type de vecteur, peut entraîner l'intégration de nouveaux gènes dans le génome de la cellule hôte.

Les étapes de la thérapie génique



<http://www.inserm.fr>

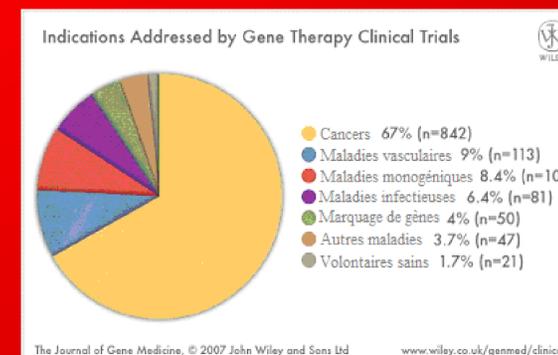
historique de la thérapie génique

Le concept de thérapie génique date des années 1950 mais il s'est réellement concrétisé dans les années 90, avec les premiers essais conduits chez l'homme.

En 1995 grâce à une équipe milanaise, un premier patient est traité de façon stable grâce à l'injection de cellules souches et de lymphocytes génétiquement modifiés (par une équipe milanaise) était atteint d'immunodéficience (perturbation des défenses immunitaire)

En 2000, succès obtenu à l'Hôpital Necker chez des patients atteints d'un autre type de déficience immunitaire.

Plus de 1 800 essais cliniques de thérapie génique sont en cours à ce jour dans de nombreux domaines.

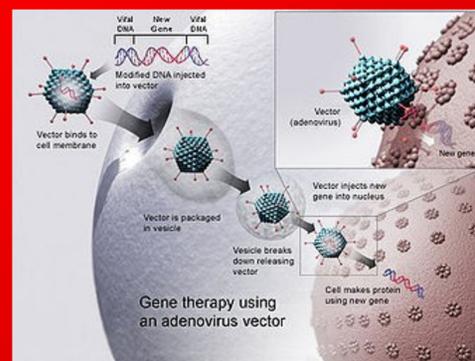


Répartition des essais cliniques entre les différents types de maladies depuis 1989.

COMMENT LES GÈNES SONT-ILS INSÉRÉS DANS LES CELLULES CIBLES?

Les vecteurs doivent être administrés à des types de cellules cibles particulières.

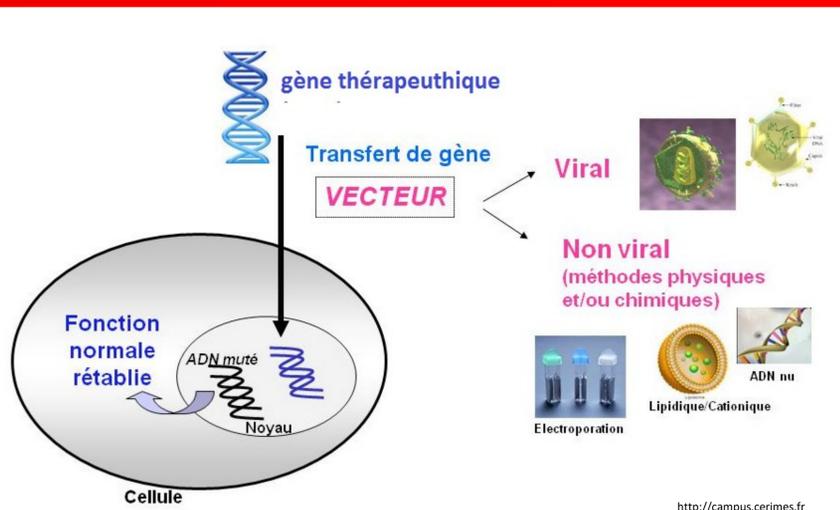
Dans le cas d'un marqueur viral, on fait reconnaître au vecteur, un marqueur présent sur la surface de la cellule malade.



Introduction du gène thérapeutique dans une cellule par un vecteur viral

La thérapie génique: complexité éthique

L'essai clinique de thérapie génique qui a remporté le plus de succès à ce jour semble être celui qui a également induit le cancer chez certains patients. Cela démontre à quel point l'introduction de rétrovirus (et d'autres virus) servant à transférer des gènes correctifs peut affecter l'expression d'autres gènes. Cela met aussi en lumière les complexités éthiques liées à ces essais.



Les différents types de vecteurs et leur rôle